



Mariusz Kielar

HEMATOONKOLOGIA

**FINANSOWANIE
POTRZEBUJE
OPTYMALIZACJI**

Projekt zrealizowany przy wsparciu firmy Novartis



Choć wartość naszego zdrowia, a tym bardziej życia, jest niepoliczalna w kategoriach ekonomicznych, można jednak wyliczyć koszty samej choroby, szacując obciążenie społeczne związane z jej leczeniem. Wszystko po to, by lepiej zarządzać wysokimi kosztami współczesnych terapii. Problem optymalizacji nakładów ekonomicznych mających zapewnić dostępność do skutecznego leczenia ma szczególne znaczenie w przypadku pacjentów hematoonkologicznych.

Choroby nowotworowe układu krwiotwórczego i chłonnego, podobnie jak wiele innych schorzeń onkologicznych, charakteryzują się systematycznym wzrostem zachorowalności w szybko starzejącym się społeczeństwie europejskim. Według danych Krajowego Rejestru Nowotworów w ciągu ostatnich trzech dekad liczba nowych zachorowań na nowotwory układu krwiotwórczego i chłonnego zwiększyła się ponad dwukrotnie. W 1990 roku współczynnik zachorowalności wynosił 8,8 na 100 tys. mieszkańców (10,4 u mężczyzn i 7,4 u kobiet), a w 2010 r. – 16,8 na 100 tys. mieszkańców (18,1 u mężczyzn i 15,5 u kobiet). Ok. 60% zachorowań na nowotwory hematoonkologiczne stwierdza się między 50. a 79. rokiem życia.

Ryzyko zachorowania na ten rodzaj nowotworu wśród dzieci i młodych dorosłych utrzymuje się na poziomie ok. 6 na 100 tys., zaś po 50. roku życia wzrasta wraz z wiekiem. Powyższe tendencje epidemiologiczne znajdują swoje odzwierciedlenie w całkowitym wolumenie zasobów ekonomicznych przeznaczanych na finansowanie leczenia dla pacjentów hematoonkologicznych. W państwach Unii Europejskiej choroby nowotworowe krwi generują 12% (6,7 mld euro) wszystkich wydatków zdrowotnych związanych z terapiami onkologicznymi (57 mld euro). Tym samym pod względem wielkości ponoszonych kosztów choroby hematoonkologicz-

ne plasują się na drugiej pozycji w rankingu ilości nakładów finansowych przeznaczanych na leczenie nowotworów (pierwsze miejsce zajmuje rak piersi). Warto jednak zauważyć, że dotyczy to wszystkich chorób hematologicznych, a nie konkretnej jednostki chorobowej. Aż 90% nowotworów układu krwiotwórczego można zaliczyć do kategorii chorób rzadkich i ultraradkich, co odgrywa znaczącą rolę w zwiększeniu społecznego obciążenia kosztami leczenia hematoonkologicznego. Informacja ta ma istotne znaczenie z perspektywy ekonomiki leczenia tej grupy chorób, ponieważ pociąga za sobą m.in. konieczność stosowania leków stosowanych w terapii chorób rzadkich i ultraradkich. Ze względu na relatywnie niewielką liczbę pacjentów, dla których takie leki są opracowywane, koszty leczenia tzw. terapiami sierocymi są przeważnie wyższe od kosztów leków o większym udziale rynkowym. Nie jest to jednak reguła, gdyż w wielu przypadkach ceny leków stosowanych w chorobach hematologicznych są na porównywalnym, bądź niższym, poziomie niż innowacyjne terapie onkologiczne. Podczas ostatniego kongresu Europejskiego Towarzystwa Hematologii (*European Hematology Association – EHA*), który odbył się w Wiedniu, zaprezentowano szczegółowe wyliczenia ilustrujące rzeczywistą skalę wydatków na leczenie chorób hematoonkologicznych w państwach Unii Europejskiej.



Z przedstawionych analiz wynika, że leczenie chorób hematologicznych pochłania ok. 23 mld euro rocznie. Prawie jedna trzecia tych kosztów związana jest z hospitalizacją pacjentów. Koszty leczenia samych tylko nowotworów hematoonkologicznych przewyższają już połowę wspomnianych 23 mld euro i wynoszą dziś prawie 12 mld euro.

Biorąc pod uwagę tak znaczne obciążenie społeczne i ekonomiczne związane z rosnącą dynamiką zachorowalności na choroby hematoonkologiczne, zwiększającymi się kosztami ich leczenia i koniecznością skutecznego przeciwdziałania skutkom tych zjawisk, problem zarządzania kosztami terapii hematoonkologicznych nabiera coraz większego praktycznego znaczenia, stając się jednym z największych wyzwań dla systemów opieki zdrowotnej państw europejskich. Niestety, nasz kraj zajmuje jedno z ostatnich miejsc w rankingu krajów unijnych pod względem wydatków na opiekę zdrowotną ze środków publicznych (4,5% PKB).

W przypadku nowotworów hematoonkologicznych znajdujemy się na piątym miejscu od końca, wyprzedzając jedynie Litwę, Bułgarię, Rumunię i Łotwę. Utrzymujące się niedofinansowanie polskiego systemu opieki zdrowotnej może realnie ograniczać możliwości zapewnienia pacjentom dostępności do niezbędnych i skutecznych terapii przeciwnowotworowych w możliwie najkrótszym czasie, co w tej grupie chorych odgrywa nierzadko rolę decydującą o ich dalszym losie.

Mając świadomość ograniczonych możliwości ekonomicznych i wielu dysfunkcjonalności polskiego systemu opieki zdrowotnej wydaje się jednak, że funkcja dostępności do wysokospecjalistycznego leczenia przeciwnowotworowego powinna być realizowana przede wszystkim na podstawie kryterium potrzeb zdrowotnych indywidualnych pacjentów hematoonkologicznych, zaś praktyczne ograniczenia tej dostępności nie powinny być sprawdzane jedynie do argumentu deficytu budżetowego płatnika.

Tab. 1. Kierunki zmian w polskiej hematoonkologii na 2016 r.

Jakość leczenia farmakologicznego chorób hematologicznych

- zwiększenie dynamiki udostępniania nowych cząsteczek i terapii polskim pacjentom;
- utworzenie mechanizmu dostępu do leków niedostępnych w programach lekowych (alternatywa dla chemioterapii niestandardowej); obecnie w przypadku braku programu lekowego jedyną możliwością dla pacjentów są badania kliniczne;
- wprowadzenie mechanizmu wczesnego dostępu do leków jeszcze niezarejestrowanych, mających dobre rokowania, będących tuż przed zakończeniem procesu rejestracyjnego – w ramach tzw. *compassionate use* (obciążenie finansowe spoczywa na podmiotach odpowiedzialnych);
- potrzeba weryfikacji systemu oceny technologii medycznych dla chorób rzadkich i ultraradkich – wypracowanie mechanizmu alternatywnego dla stosowanego kryterium QALY;
- opracowanie rozwiązań systemowych dedykowanych finansowaniu terapii dla chorób rzadkich – wzorem innych krajów Unii Europejskiej;
- wykorzystanie algorytmów oceny wartości leków przeciwnowotworowych stosowanych w procedurze refundacyjnej przez inne kraje;
- zastosowanie mechanizmu Funduszu Leków Przeciwnowotworowych czy zapowiedzianego przez Ministra – Funduszu Ratunkowego.



Diagnostyka rzadkich chorób hematologicznych i dostęp do kadry specjalistów

- udoskonalenie rejestru nowotworów w ramach Krajowego Rejestru Nowotworów – prowadzenie pełniejszej ewidencji epidemiologicznej i sprawozdawczości;
- wprowadzenie poziomów referencyjności ośrodków hematoonkologicznych, które spowoduje, że pacjenci z trudnymi lub rzadkimi chorobami hematoonkologicznymi będą mogli być leczeni przez profesjonalną kadrę medyczną, w wyspecjalizowanych placówkach.

Zmiany systemowe oraz zmiany procesów formalnych, prowadzące do poprawy jakości leczenia chorób hematologicznych

- potrzeba włączenia grupy ekspertów w tworzenie rozwiązań i ocenę terapii hematoonkologicznych; w pierwszej kolejności propozycje ministra zdrowia czy AOTMiT powinny zostać wypracowane we współpracy z ekspertami poprzez wskazanie najpilniejszych potrzeb, w kolejnym kroku – na bazie rekomendacji ekspertów – powinny zostać opracowane mechanizmy oceny i finansowania tych rozwiązań;
- weryfikacja koszyka świadczeń gwarantowanych oraz utworzenie map potrzeb zdrowotnych i sieci szpitali publicznych, które pozwolą zoptymalizować koszty leczenia.

W zgodnej opinii ekspertów polskiej hematoonkologii bardziej niż kiedykolwiek przedtem potrzeba kompleksowych rozwiązań w zakresie optymalizacji kosztów leczenia oraz poprawy dostępności do terapii rzadkich chorób nowotworowych krwi. Od początku 2013 roku do marca 2016 roku amerykańska Agencja Żywności i Leków (FDA) zarejestrowała aż 15 cząsteczek w 22 wskazaniach hematologicznych lub onkologicznych. Na terenie Unii Europejskiej w tym samym okresie Europejska Agencja Leków (EMA) zarejestrowała aż 17 oryginalnych leków hematologicznych (nie licząc czynników krzepnięcia). Jednak pomimo rejestracji centralnej na obszarze Unii Europejskiej (przeprowadzonej w niektórych przypadkach w trybie przyśpieszonym), jedynie 3 terapie są aktualnie objęte w Polsce refundacją.

Zdaniem dr Rafała Zyśka z Uczelni Łazarskiego opublikowane przez polską Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) dokumenty wskazują, że w okresie 2014–2015 wydano rekomendacje dla 23 leków hematologicznych w 50 wskazaniach, z czego pozytywnie zarekomendowano 17 leków w 19 wskazaniach. Wśród zareko-

mendowanych pozytywnie przez prezesa AOTMiT leków, refundacją zostało objętych jedynie 10 leków w 15 wskazaniach (do dnia 1 maja 2016 roku). Jeśli weryfikacja zastosowań leku obejmuje inne wskazania, niż te znajdujące się w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ang. *off-label use*), proces takiej oceny kończy się na wydaniu opinii Rady Przejrzystości (tzn. prezes AOTMiT nie wydaje rekomendacji). Analiza opinii Rady Przejrzystości dotyczących takich zastosowań leków hematologicznych wskazuje, że w latach 2014–2015 Rada wydała pozytywne opinie dla 5 leków w 35 wskazaniach pozarejestacyjnych. Wśród zaopiniowanych pozytywnie przez Radę leków hematologicznych refundacją zostało objętych 5 leków w 22 wskazaniach (do dnia 1 maja 2016 roku). Większość ocenianych we wskazanym okresie leków hematologicznych dotyczyła wniosków o objęcie leku programem lekowym (14 leków) lub była związana z zakończeniem finansowania programu chemioterapii niestandardowej (11 leków). Pozostałe oceny dotyczyły wniosków o refundację w ramach katalogu chemioterapii (3 leki) lub o refundację apteczną (1 lek). W jednym przypadku lek poddano



ocenie w związku z kwalifikacją świadczenia opieki zdrowotnej do koszyka świadczeń gwarantowanych. Jednak kilka nowoczesnych terapii hematologicznych posiadających rejestrację europejską, m.in. deferazyroks, eltrombopag, romiplostym, beksaroten, obinutuzumab czy ruksolitynib, nie zostało objęte finansowaniem w naszym kraju, stając się tym samym terapiami praktycznie niedostępnymi dla polskich pacjentów. Wydaje się, że taki stan rzeczy wymaga lepszej koordynacji finansowej ze strony resortu zdrowia poprzez optymalizację bieżących wydatków. – Przegląd rozwiązań systemowych wprowadzanych przez kraje o najlepiej funkcjonujących publicznych systemach opieki zdrowotnej pozwala zidentyfikować, które pomysły w praktyce sprawdzają się najlepiej i których wykorzystanie w polskim systemie jest możliwe. Wśród nich należy wymienić: finansowane przez producentów tzw. programy *compassionate use*, mechanizmy wczesnego dostępu do najskuteczniejszych leków jeszcze nier refundowanych, programy refundacji warunkowej z jednoczesnym monitoringiem efektów leczenia (ang. *coverage with evidence development*) – tłumaczy dr Rafał Zyśk, ekspert ds. ekonomiki zdrowia. Jego zdaniem pewne rozwiązania pozwalające na optymalizację kosztów w hematoonkologii wprowadziła już w 2012 roku ustawa refundacyjna, jednak niektóre przepisy sformułowano nieco zbyt restrykcyjnie. Z kolei inne rozwiązania do dzisiaj nie zostały wykorzystane przez resort zdrowia. – Brak w Polsce programu *compassionate use*, który uniemożliwia pacjentom korzystanie z możliwości nieodpłatnego przekazywania leków przez ich producentów. To niebywale, że w Polsce nikt nie zadbał o odpowiednie regulacje prawne w tym zakresie. Programy takie istnieją w rozwiniętych i bogatych krajach Unii Europejskiej, umożliwiając leczenie pacjentów innowacyjnymi lekami bez obciążenia budżetu płatnika. W Polsce jest to niemożliwe – uważa dr hab. Tomasz Sacha z Kliniki Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie. W opinii hematologa koszty leczenia można optymalizować, jeżeli ma się

na nie wpływ. I nie chodzi tu jedynie o niepodawanie drogich terapii, co w praktyce jest często jedyną optymalizacją, jakiej domagają się od lekarzy np. dyrektorzy szpitali (także tych klinicznych). – Optymalne leczenie kosztuje drogo, ale leczenie nieoptymalne może kosztować jeszcze więcej, bo jest nieskuteczne i może w konsekwencji prowadzić do powstania powikłań, których leczenie niejednokrotnie przewyższa koszty drogiej terapii nie podanej w odpowiednim czasie. Nie ma mechanizmu wpływu środowiska hematologów na kształtowanie polityki lekowej i dostępność do wartościowych terapii. Jedyntym podmiotem mogącym zgłaszać wnioski refundacyjne dla nowych leków jest koncern farmaceutyczny. Ten mechanizm eliminuje możliwość stosowania wielu leków, które nie mają rejestracji lub refundacji w danym wskazaniu, a odznaczają się dużą skutecznością, bo np. koncern farmaceutyczny nie jest zainteresowany wprowadzeniem ich na rynek w danym wskazaniu – wyjaśnia dr hab. Tomasz Sacha. Aby pokazać, że konieczna zmiana obecnych zasad finansowania polskiej hematoonkologii jest całkiem realna, poniżej zamieszczono kilka możliwych kierunków optymalizacji kosztów leczenia hematoonkologicznego przez Ministerstwo Zdrowia, które zdaniem ekspertów mogą pomóc osiągnąć ten cel.

Pierwszym mechanizmem mogłoby być objęcie refundacją nowych terapii hematoonkologicznych zasilanej z puli środków zaoszczędzonych na finansowaniu terapii generycznych. W opinii specjalistów oszczędności wygenerowane w budżecie NFZ powinny być docelowo przeznaczone na finansowanie nowych terapii w tym samym obszarze, w którym zostały one zgromadzone. Przykładem może być zastąpienie imatynibu lekiem generycznym w leczeniu przewlekłej białaczki szpikowej, co wpłynęło na spadek kosztów leczenia w pierwszej linii terapeutycznej i wygenerowało ok. 145 mln zł oszczędności (dane NFZ za 2015 rok). Co więcej, uważa się, że dzięki redystrybucji tej nadwyżki środków finansowych możliwe byłoby finansowanie nowych terapii w hematoonkologii bez ryzyka



destabilizacji budżetu płatnika. Kolejnym źródłem potencjalnych oszczędności budżetowych może być weryfikacja koszyka świadczeń gwarantowanych. Według projektowanych założeń docelowo dla każdej dziedziny ma zostać utworzony dedykowany koszyk. Oszczędności wygenerowane w ramach świadczeń hematoonkologicznych mogłyby zostać przesunięte na realizację innych pilnych potrzeb w tej dziedzinie. – Zapowiadana wielokrotnie przez resort zdrowia weryfikacja koszyka świadczeń gwarantowanych mogłaby przyczynić się do poprawy sytuacji pacjentów onkologicznych i hematologicznych, w szczególności w zakresie dostępności do diagnostyki genetycznej i molekularnej chorób nowotworowych, poprzez zmianę zasad finansowania tych świadczeń oraz przesunięcia środków z innych rodzajów świadczeń. Te ostatnie powinny zostać poprzedzone rzetelną oceną kliniczną i ekonomiczną przez AOTMiT. Ocena ta w szczególności powinna dotyczyć świadczeń zdrowotnych, na które przeznaczane są obecnie przez NFZ największe budżety np. leczenia uzdrowiskowego z rocznym budżetem wynoszącym 640 mln zł – uważa dr Rafał Zyśk. Efektywniejszemu finansowaniu leczenia chorób nowotworowych układu krwiotwórczego odpowiadającego na bieżące potrzeby pacjentów hematoonkologicznych mogłoby sprzyjać zwiększenie roli aktywnego włączenia w proces refundacyjny oraz ocenę technologii medycznych grup ekspertów – klinicystów, towarzystw naukowych – mających możliwość udzielania rekomendacji dotyczących finansowania poszczególnych terapii. Zdaniem dr. hab. Tomasza Sachy dotychczasowy sposób merytorycznej oceny nowych sposobów leczenia (technologii medycznych) wskazujący, które z nich warte są inwestowania i mają istotny wpływ na wyniki leczenia konkretnych chorób, jest daleki od doskonałości. – Niejednokrotnie decyzje refundacyjne podejmowane jednoosobowo przez ministra zdrowia są zupełnie niezrozumiałe. Brak przejrzystości w tym zakresie, brak podania przyczyn i uzasadnienia podjęcia pozytywnej lub negatywnej decyzji re-

fundacyjnej oraz podejmowanie ich niezależnie od opinii Rady Przejrzystości oraz AOTMiT (czasami zgodnie z nimi, czasami nie) budzi nieufność i poczucie braku kontroli nad całym procesem – uważa dr hab. Tomasz Sacha. Zdaniem krakowskiego specjalisty pilnej rewizji wymaga również cały system rozliczeń placówek opieki zdrowotnej z płatnikiem za stosowane leki. – Przykładowo NFZ zwraca koszty pewnego leku stosowanego dożylnie według ustalonej ceny za miligram zużytej substancji czynnej. Jeżeli jednostkowe opakowanie leku zawiera np. 100 mg, a pacjent wymaga podania 48 mg, wówczas faktyczne zużycie tego leku wynosi 100 mg i za 100 mg szpital musiał zapłacić. Jednak NFZ zwrócił szpitalowi koszty tylko za 48 mg leku. W związku z tym systemem rodzi się kolejna patologia – znane są praktyki grupowania pacjentów i próby dzielenia otwartych opakowań na kilka osób, co ma dać oszczędność kosztów leczenia. Wiedzie to z mojego doświadczenia do stosowania nieodpowiednich dawek leków, niejednokrotnie zaniżonych, dostosowanych do potrzeby podziału amputki, a nie wymaganej dawki, stosowania leków w nieoptymalnych terminach – znowu dostosowanych do tego, aby większa grupa pacjentów z danym schorzeniem mogła pojawić się jednocześnie. W związku z tym łamane są podstawowe zasady leczenia przeciwnowotworowego, czyli leczenia odpowiednią dawką w odpowiednim czasie – tłumaczy dr hab. Tomasz Sacha. Ścisłą koordynację kosztów leczenia terapii hematoonkologicznych może ułatwiać ich finansowanie w ramach programów lekowych. Precyzyjnie określona populacja objęta leczeniem oraz precyzyjne kryteria uczestnictwa pacjentów biorących udział w takim programie istotnie ułatwiają w pełni kontrolowane zarządzanie budżetem płatnika przy jednoczesnym zapewnieniu dostępności pacjentów do nowych form terapii hematoonkologicznych. W sytuacji ograniczonego budżetu przeznaczanego na refundację leków lepszy dostęp do nowoczesnych technologii medycznych w hematoonkologii może być również wynikiem wprowadzenia mecha-



nizmów podziału ryzyka opartych na ocenie skuteczności leczenia. Choć w przypadku naszego kraju wdrożenie instrumentów dzielenia ryzyka opartych o ocenę skuteczności leczenia wymaga wcześniejszych inwestycji w infrastrukturę informatyczną oraz rejestry sprawozdawczości, rozwiązania te sprawdzają się w innych państwach europejskich.

Powyższe metody optymalizacji kosztów leczenia chorób hematoonkologicznych można dodatkowo poszerzyć o rozwiązania organizacyjne uwzględniające ocenę jakości finansowanej terapii przeciwnowotworowej. Dzięki proponowanemu uruchomieniu sieci ośrodków referencyjnych oraz zróżnicowaniu poziomów ich finansowania w zależności od jakości świadczonych usług, wartością dodaną do funkcji optymalizacji kosztów leczenia byłoby uporządkowanie i wdrożenie standardów wpływających na jakość leczenia oraz opieki nad pacjentem, a także monitoring jakości świadczeń diagnostyczno-leczniczych wykonywanych w ośrodkach referencyjnych. W tym przypadku usankcjonowaną prawnie praktyką powinno być uzależnienie możliwości ubiegania się placówki o kontrakt onkologiczny ze środków publicznych od wprowadzenia przez nią powyższych kryteriów. Wdrożenie finansowania świadczeń hematoonkologicznych w ośrodkach referencyjnych stanowiłoby także gwarancję objęcia opieką chorych z rzadkimi nowotworami krwi, a także pacjentów z powikłaniami, których leczenia obecnie nie podejmuje się szereg szpitali. Komplementarnym rozwiązaniem z punktu widzenia optymalizacji wydatków płatnika jest stworzenie sieci szpitali opartych na określeniu konkretnych budżetów rocznych, alokowanych w danych placówkach. Dyrekcja placówek byłaby zobowiązana do maksymalnego wykorzystania zabudżetowanych pieniędzy, a w przypadku ich niewykorzystania – do ich zwrotu. Z kolei w sytuacji, gdy dany ośrodek przekroczyłby zabudżetowane na dany rok środki, istniałaby możliwość jego dofinansowania wówczas, gdy dana placówka uzasadniłaby potrzeby

i zakres niezbędnych działań. Efektywność tego rozwiązania zależałaby od weryfikacji rzeczywistych danych, w tym analiz wydatków ponoszonych przez dane placówki na przestrzeni lat. Powyższe propozycje mające na celu optymalizację kosztów leczenia hematoonkologicznego oraz poprawę koordynacji finansowania po stronie płatnika publicznego mogą okazać się pomocne, o ile uda się wypracować nowy mechanizm oceny efektywności kosztowej dla terapii chorób hematoonkologicznych, w tym rzadkich nowotworów układu krwiotwórczego. W opinii dr. Rafała Żyśka między innymi z powodu najbardziej restrykcyjnych kryteriów farmakoekonomicznych w Europie, niemal wszystkim nowym lekom przeciwnowotworowym przypisuje się brak efektywności kosztowej w warunkach polskich. – Wiele osób nie zdaje sobie jednak sprawy, że podczas oceny efektywności kosztowej metodą QALY dodatkowe lata życia mnożymy przez hipotetyczne wartości stanów zdrowia, określone najczęściej za pomocą sondaży przeprowadzonych w populacji ogólnej. Z tego właśnie powodu, niemal wszystkie państwa wykorzystujące metodologię QALY – która ze względu na pewne uproszczenia, w niektórych stanach klinicznych, obarczona jest ryzykiem błędu – wprowadziły dodatkowe kryteria oceny wartości leków ultrasierocych oraz leków stosowanych w końcowej fazie życia (*end of life treatment*) – wyjaśnia dr Żyśk. Zdaniem dr. hab. Tomasza Sachy parametr QALY urósł wśród urzędników Ministerstwa Zdrowia do wymiaru fetyszu. – Merytorycznym błędem jest rezygnacja z finansowania terapii nowotworowej stosowanej w chorobie rzadkiej (a większość schorzeń hematoonkologicznych spełnia kryteria definicji chorób rzadkich) jedynie w oparciu o ten parametr, który sprawdza się, ale w ocenie nowych leków stosowanych np. w nadciśnieniu tętniczym – dodaje dr hab. Tomasz Sacha. Dlatego część państw wprowadziła dodatkowe, wyższy próg efektywności kosztowej lub krzywe akceptowalności z wieloma progami. – Kluczowe jest zrozumienie, że ten dodatkowy próg nie



jest podyktowany tym, że państwa te przypisują wyższą wartość dodatkowemu rokowi życia w końcowym jego okresie, ale tym, że metody wyznaczania hipotetycznych wartości stanów zdrowia, postępując się znacznymi uproszczeniami, zaniżają często wartość życia w końcowym jego okresie – dodaje dr Rafał Zyśk. Oparcie dotychczasowej oceny opłacalności leczenia na wskaźniku QALY budzi zatem wiele wątpliwości, ponieważ nie ma on praktycznego zastosowania w odniesieniu do finansowania terapii rzadkich chorób hematologicznych oraz chorób ultraradkich. Jego zastosowanie wiąże się ponadto z istotnymi ograniczeniami w przypadku zastosowania leczenia w końcowej fazie życia. Samo zaś wykorzystanie wskaźnika QALY skutkuje często odmownymi decyzjami refundacyjnymi.

Zdaniem dr. Rafała Zyśka optymalizacja kosztów w obszarze onkologii i hematologii powinna znaleźć odzwierciedlenie przede wszystkim w poprawie diagnostyki chorób nowotworowych, skróceniu kolejek do świadczeń zdrowotnych oraz w poprawie dostępności do nowych technologii medycznych stanowiących obecnie europejski standard leczenia. – Warto w tym miejscu zaznaczyć, że coraz więcej państw decyduje się na zmianę formuły finansowania niektórych świadczeń poprzez odejście od modelu *fee-for-service* w kierunku modelu *value-based-care* – przekonuje dr Zyśk. W jego opinii lista potrzeb wśród pacjentów hematologicznych i onkologicznych jest długa i z każdym rokiem zauważalnie się wydłuża. – Wystarczy wymienić całe nowe grupy leków o nowych mechanizmach działania, których wartość została uznana przez wytyczne najważniejszych towarzystw naukowych i stały się już światowym standardem postępowania: inhibitory ALK i ROS1 stosowane w leczeniu chorych na raka płuca, inhibitory EGFR stosowane w leczeniu chorych na raka jelita grubego, agoniści receptora trombo-poetyny w płamicy małopłytkowej, inhibitory JAK w czerwienicy prawdziwej i mielofibrozie. Również nowe technologie nielekowe w praktyce imple-

mentowane są bardzo wolno ze względu na czasochłonność procedury wprowadzania zmian w systemie Jednorodnych Grup Pacjentów, którym posługuje się NFZ. Dr hab. Tomasz Sacha wśród obszarów w hematologii wymagających pilnego doinwestowania wymienia leki innowacyjne i diagnostykę hematologiczną. – Polscy pacjenci mają dostęp zaledwie do 2% leków innowacyjnych stosowanych w onkologii. Pakiet onkologiczny – zupełnie nieprzystający do specyfiki hematologii – przewiduje przeprowadzenie diagnostyki np. ostrej białaczki szpikowej za kwotę rzędu 800 zł. W rzeczywistości, aby ustalić odpowiednią diagnozę i określić czynniki ryzyka, do których dopasowane jest późniejsze leczenie i od których zależy jego skuteczność, kosztuje to ok. 4000 zł. Podobnie wyglądają relacje pomiędzy narzuconymi przez pakiet onkologiczny a realnymi kwotami wydawanymi na diagnostykę innych chorób hematologicznych – wylicza dr hab. Tomasz Sacha.

Taka sytuacja przemawia za koniecznością podjęcia w najbliższym czasie szeregu decyzji, których rezultatem będzie zwiększenie dostępności pacjentów do nowoczesnego leczenia rzadkich chorób nowotworowych krwi w Polsce. O jakie konkretne decyzje chodzi? Najważniejszą z nich będzie zwiększenie elastyczności w podejściu do procesu refundacji i wykorzystania innowacyjnych narzędzi w przypadku schorzeń o charakterze nowotworowym, nie obejmujących dużych populacji pacjentów. Takie właśnie choroby występują w obszarze hematologii. Tymczasem w kolejce do refundacji czekają obecnie m.in. leki, których wskaźniki efektywności kosztowej (opłacalności) są porównywalne z lekami onkologicznymi. Przy sprawnym zarządzaniu leczeniem hematologicznym uwzględniającym dobrze rozwinięty system referencyjności placówek byłby to z pewnością właściwy krok w kierunku praktycznej weryfikacji nowych rozwiązań finansowania terapii hematologicznych, w szczególności mechanizmów refundacyjnych.



Piśmiennictwo

1. Didkowska J., Wojciechowska U., Zatoński W., *Obecny stan walki z nowotworami w Polsce 2014*, za: http://www.walkazrakiem.pl/sites/default/files/library/files/obecny_stan_zwalczania_nowotworow_w_polsce_10-07-2014_2.pdf.
2. *Europejski kodeks walki z rakiem*, Zatoński W. (red.), Program NPZChN: *Prewencja pierwotna nowotworów*, wydanie IV skrócone i poprawione, Centrum Onkologii – Instytut im. M. Skłodowskiej-Curie, Warszawa 2012.
3. <http://dev.infarma.pl/knowledge/infarma-reports/risk-sharing-instruments-in-the-drug-reimbursement-system-in-poland-and-the-world/>.
4. <http://www.ehaweb.org>.
5. Kalbarczyk W.P., Gujski M., Brzozowski S., Tytko Z., Ścibek A., *Walka z nowotworami i opieka onkologiczna w Polsce wobec wyzwań demograficznych i epidemiologicznych – propozycje rozwiązań*, Instytut Ochrony Zdrowia, Warszawa 2015.
6. Moskal W., *Hematoonkologia w Polsce*, raport Instytutu Ochrony Zdrowia, Warszawa, <http://ioz.org.pl/?pageld=12&pid=18>.
7. Prognoza ludności na lata 2008–2035, GUS 2009.
8. Raport *Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii*; realizacja raportu na zlecenie Fundacji Onkologicznej Osób Młodych „Alivia”, firma EY Polska, współpraca: Polsko-Szwajcarska Izba Gospodarcza.
9. Wojciechowska U., Didkowska J., *Zachorowania i zgony na nowotwory złośliwe w Polsce*, Krajowy Rejestr Nowotworów, Centrum Onkologii – Instytut im. Marii Skłodowskiej-Curie, <http://onkologia.org.pl/raporty/>.